



Til NASDAQ OMX Copenhagen A/S
Meddelelse nr. 17-14/ København, 3. juli 2014

Topotarget A/S
Symbion
Fruebjergvej 3
2100 København Ø
Danmark
Tlf.: +45 39178392
E: enquiries@topotarget.com
CVR-nr.: 2569 5771
www.topotarget.com

FDA godkender Beleodaq™ (belinostat) til injektion

- Fremskyndet godkendelse af Beleodaq™ til behandling af patienter med tilbagevendende eller resistent perifert T-celle lymfekræft --
- Den tidligere godkendelse kommer før den såkaldte PDUFA dato af 9. august 2014 som følge af Priority Review --
- Udløser milepælsbetaling på USD 25 mio. til Topotarget --
- Beleodaq forventes at være tilgængelig for patienterne i juli 2014 og vil blive lanceret af den eksisterende salgsstyrke inden for onkologi hos Spectrum Pharmaceuticals --

Topotarget har i dag meddelt, at de amerikanske sundhedsmyndigheder (FDA) har tildelt vores partner, Spectrum Pharmaceuticals, Inc., fremskyndet godkendelse af Beleodaq til behandling af patienter med tilbagevendende eller resistent perifert T-celle lymfekræft (R/R PTCL). Godkendelsen kommer oven på et Priority Review af registreringsansøgningen for Beleodaq og opnås forud for den såkaldte PDUFA-dato, hvor FDA træffer sin beslutning, som var sat til den 9. august 2014.

Beleodaq blev tildelt markedsføringstilladelse i henhold til FDA's program for fremskyndet godkendelse, som giver betinget godkendelse af et lægemiddel til behandling af en livstruende sygdom baseret på tidlige beviser på klinisk effekt. Godkendelsen er baseret på resultater fra BELIEF-studiet, hvor der blev indrullet 129 PTCL-patienter, som var resistente over for eller som ikke har haft effekt af mindst én tidligere systemisk behandling.

"Med FDA's fremskyndede godkendelse af Beleodaq er det lykket os at udvikle et nyt behandlingsvalg for patienter med PTCL. Vi er meget glade for valideringen af vores lægemiddelstof og mener, at det tydeligt understreger rationalet bag Topotargets fusion med BioAlliance Pharma om at skabe en endnu stærkere pipeline af lægemiddelkandidater til behandling af sjældne kræftsygdomme for den sammenlagte enhed, Onxeo", udtaler Topotargets administrerende direktør Anders Vadsholt.

Milepælsbetaling på USD 25 mio.

En kontant milepælsbetaling på USD 25 mio. fra Spectrum Pharmaceuticals udløses ved godkendelsen af registreringsansøgningen. Topotarget er endvidere berettiget til at modtage tocifrede royalties af det samlede salg samt salgsbaserede milepælsbetalinger.

Forventninger til 2014

I lyset af fusionen med BioAlliance Pharma finder bestyrelsen det, som tidligere udmeldt, ikke for passende at udtrykke indtjeningsforventninger til 2014.

Fusion med BioAlliance Pharma

Henholdsvis den 27. og 30. juni 2014 godkendte Topotarget og BioAlliance Pharmas aktionærer fusionen af Topotarget og BioAlliance Pharma for at skabe Onxeo. Fusionens gennemførelse er nu afhængig af anmeldelse hos de relevante franske og danske myndigheder, som forventes at ske i løbet af juli 2014.

Topotarget A/S

For yderligere information kontakt venligst:
Anders Vadsholt, CEO – direkte: +45 39178345

Om Topotarget

Topotarget (NASDAQ OMX: TOPO) er et dansk biofarmaceutisk selskab med hovedsæde i København. Selskabet beskæftiger sig med klinisk udvikling og registrering af onkologiprodukter. Topotarget fokuserer i samarbejde med Spectrum Pharmaceuticals, Inc. på udviklingen af dets førende lægemiddelkandidat, belinostat, som har vist positive resultater i behandling af blodkræftsygdomme og solide kræfttumorer opnået ved både enkeltstof- og kombinationsbehandling. For yderligere oplysninger henvises til <http://www.topotarget.com/>

Om perifert T-celle lymfekræft

Ifølge Lymphoma Research Foundation (www.lymphoma.org) er lymfekræft den mest udbredte form for blodkræft. De to primære former for lymfekræft er Hodgkins lymfom og non-Hodgkins lymfom (NHL). Lymfekræft opstår, når lymfocytterne, som er en form for hvide blodlegemer, vokser abnormalt og samler sig i en eller flere lymfeknuder eller lymfevævet. Kroppen har to hovedtyper lymfocytter, som kan udvikle sig til lymfekræft: B-lymfocytter (B-celler) og T-lymfocytter (T-celler). PTCL består af en gruppe sjældne og aggressive NHL-typer, som udvikles fra modne T-celler. PTCL udgør omkring 10-15% af alle tilfælde af NHL i USA.

Om Beleodaq

Belinostat er en HDAC-hæmmer, som undersøges i en række kliniske undersøgelser som enkeltstof og i kombination med kemoterapeutiske stoffer til behandling af forskellige blodkræftsygdomme og solide kræftformer. Stoffets kræftbehandlingseffekt menes at blive medieret via en række forskellige virkningsmekanismer, herunder hæmning af celleformering, induktion af apoptose (programmeret celledød), hæmning af angiogenese og induktion af differentiering. Beleodaq har påvist aktivitet i tumorer, som er blevet resistente over for kræftbehandlingsmidler som f.eks. platinstoffer, taxaner og topoisomerase II-hæmmere.

Om BELIEF-studiet

BELIEF-studiet var et ikke-blindet, ikke-randomiseret, internationalt enkeltarms-studie, som blev foretaget på 62 centre og indrullede 129 patienter med recidiverende eller resistent PTCL. 120 patienter havde fået bekræftet PTCL-diagnosen ved en central histologisk gennemgang og kunne evalueres med hensyn til behandlingseffekt. Patienterne blev behandlet med Beleodaq (1.000 mg/m²), administreret som en 30 minutters IV-infusion én gang dagligt på dag 1-5 i en 21-dages behandlingsserie. Behandlingsserierne blev gentaget hver 3. uge, indtil der blev observeret sygdomsprogression eller uacceptable bivirkninger.

Det primære effektmål i BELIEF-studiet var responsraten (komplet og partielt respons) vurderet af en uafhængig komité (Independent Review Committee – IRC) i overensstemmelse med International Workshop Criteria (IWC) (Cheson 2007). Det primære sekundære effektmål var responsvarighed. Blandt alle de evaluérbare patienter (N=120) behandlet med Beleodaq var den samlede responsrate pr. centrale gennemgang ved brug af IWC 25,8 % (n=31) med en rate på 23,4 % for PTCL, NOS og 45,5 % for AITL, som var de to største undertyper, der var indrullet i studiet. Den mediane responsvarighed baseret på den første dato for respons til sygdomsprogression eller dødsfald var 8,4 måneder (95 % KI: 4,5 - 29,4).

Data fra BELIEF-studiet viste, at de mest almindelige bivirkninger, der blev rapporteret for Beleodaq (>25 %) var kvalme, træthed, feber, anæmi og opkastninger. Det blev observeret lave rater af myelosuppression med en samlet rate af trombocytopeni på 16,3 % og neutropeni på 9,3 %. Disse bivirkninger var milde til moderate, og blot 7,0% og 6,2 % af patienterne rapporterede om henholdsvis Grad 3 og 4 hændelser. De mest almindelige alvorlige bivirkninger (>2 %) var lungebetændelse, feber, infektion, anæmi, forhøjet kreatinin, trombocytopeni og multiorgansvigt.

Topotarget Safe Harbor Statement

Denne meddelelse kan indeholde fremadrettede udsagn, herunder udsagn om Topotarget A/S' forventninger til udviklingen af selskabets kliniske pipeline samt med hensyn til forventet likviditetsforbrug. Sådanne udsagn er forbundet med risici og usikkerhed, hvoraf mange ligger uden for Topotarget A/S' kontrol, og kan medføre, at de opnåede resultater afviger væsentligt fra de beskrevne. Topotarget A/S har ingen hensigt om og påtager sig ingen forpligtelse til at opdatere eller ændre fremadrettede udsagn, hverken som følge af fremkomsten af nye oplysninger, fremtidige begivenheder eller på anden måde, medmindre dansk lovgivning kræver det.